

論文内容要約

論文題目

Critical review of 'Public domain application': a flexible drug approval system in Japan

指導（紹介）教授： 吉岡 孝志
氏 名： 伊藤 由理子

【要 約】

【背景・目的】海外では標準的に使用が認められているものの本邦では保険適応となっていない薬剤のドラッグラグの問題に対し、公知申請の柔軟な適応が解決策の一つとして注目されている。しかし、その一方で公知申請と同様の柔軟な申請承認運用をいち早く導入した米国では承認期間を短縮する制度を経て承認された医療機器のリコールが相次いでいることが問題となり、制度運用の見直しが議論されている。日本でも公知申請が普及すれば、同様の問題に直面する懸念がある。そのため、我々は日本の審査当局の判断についてクリティカルレビューを行い、第三者としてその妥当性を評価する目的で研究を行った。

【方法】1999～2009 年までに公知申請として承認された抗癌剤において、PMDA で 公 表 し て い る carboplatin; dacarbazine; cytarabine; methotrexate, vinblastine, doxorubicin, cisplatin (M-VAC); bleomycin, etoposide, cisplatin (BEP); ifosfamide, vinblastine (VeIP), fludarabine の 7 つの審査報告書から承認の根拠とされた臨床研究、ガイドライン、教科書を抽出する。引用されている原著論文について、研究デザイン、primary endpoint、症例数、奏効割合などについて情報を収集し、エビデンス調査を行う。その後、判断の根拠とされた資料について再評価を行った。【結果】原著論文のエビデンスレベルと総症例数から、承認された薬剤は 3 つのグループに分類された。一つ目は Carboplatin が属し、総症例数が 15000 人以上で第 3 相試験が 17 本含まれエビデンスレベルも高いグループである。二つ目は VeIP レジメンが属し、総症例数が 1000 人以下で、第 3 相試験が一つしか含まれない

エビデンスレベルの低いグループである。三つ目は dacarbazine, cytarabine, M-VAC, BEP, fludarabine が属し、総症例数が 1000～7000 人、第 3 相試験が 8 つ未満のグループである。【結論】公知申請として承認される薬剤のバックグラウンドはそれぞれ異なっていた。それらを考慮したクリティカルレビューの結果、Carboplatin は治験の実施が可能であり、公知申請を利用する必要があるのか議論の余地があった。その他の薬剤は公知申請としての承認が妥当と考えられた。